



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/663763/2014  
EMA/H/C/003771

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Rixubis

## nonacog gamma

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Rixubis. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Rixubis.

Per informazioni pratiche sull'uso di Rixubis, i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

### **Che cos'è e per che cosa si usa Rixubis?**

Rixubis è un medicinale usato per il trattamento e la prevenzione del sanguinamento in pazienti affetti da emofilia B, un disturbo ereditario della coagulazione causato da una mancanza di fattore IX. Può essere usato in pazienti di tutte le età, per il trattamento a breve o a lungo termine. Rixubis contiene il principio attivo nonacog gamma.

### **Come si usa Rixubis?**

Rixubis può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento deve essere iniziato sotto la supervisione di un medico esperto nel trattamento dell'emofilia.

Rixubis è disponibile come polvere e solvente, che vengono miscelati per produrre una soluzione da iniettare in vena. La dose e la frequenza del trattamento dipendono dal peso corporeo del paziente e dal fatto che Rixubis sia utilizzato per il trattamento o per la prevenzione del sanguinamento, nonché dalla gravità dell'emofilia, dall'entità e dalla sede del sanguinamento e dall'età e dallo stato di salute del paziente. Per ulteriori informazioni, vedere il riassunto delle caratteristiche del prodotto (accluso all'EPAR).

I pazienti o le persone che li assistono possono somministrare Rixubis a casa, una volta ricevuto un opportuno addestramento. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.



## Come agisce Rixubis?

I pazienti affetti da emofilia B hanno una mancanza di fattore IX, necessario perché il sangue coaguli correttamente. Questa mancanza causa problemi di coagulazione, come sanguinamento nelle articolazioni, nei muscoli o negli organi interni. Il principio attivo contenuto in Rixubis, nonacog gamma, è una versione del fattore IX umano e aiuta il sangue a coagulare nello stesso modo. Rixubis può essere quindi utilizzato per sostituire il fattore IX mancante, consentendo un controllo temporaneo del disturbo della coagulazione.

Nonacog gamma non è estratto dal sangue umano, ma è prodotto con un metodo noto come "tecnologia del DNA ricombinante": è realizzato da cellule di criceto nelle quali è stato introdotto un gene (DNA), che consente alle cellule di produrre il fattore della coagulazione umano.

## Quali benefici di Rixubis sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Rixubis nel trattamento e nella prevenzione di episodi di sanguinamento sono stati dimostrati in tre studi principali, condotti in pazienti con emofilia B grave o moderatamente grave. Nessuno degli studi ha confrontato l'efficacia di Rixubis direttamente con un altro medicinale. L'efficacia nell'arrestare il sanguinamento è stata misurata su una scala standard, nella quale "eccellente" significava un sollievo completo dal dolore e nessun segno di sanguinamento dopo una singola dose del medicinale e "buono" significava sollievo dal dolore e segni di miglioramento con una singola dose, anche se potrebbero essere necessarie ulteriori dosi per una risoluzione completa.

Nel primo studio, a cui hanno partecipato 73 pazienti di età compresa tra 12 e 59 anni, 249 episodi di sanguinamento sono stati trattati con Rixubis. L'effetto del trattamento nell'arrestare gli episodi di sanguinamento è stato giudicato eccellente nel 41% dei casi e buono in un ulteriore 55%. Con riferimento alla prevenzione del sanguinamento, il tasso medio di sanguinamento durante il trattamento è stato di 4,26 episodi l'anno, rispetto a una media di circa 17 l'anno prima dell'arruolamento nello studio. Un secondo studio ha coinvolto 23 bambini di età compresa tra poco meno di 2 anni a quasi 12, che hanno manifestato 26 episodi di sanguinamento durante lo studio: il trattamento degli episodi di sanguinamento è stato giudicato eccellente nel 50% dei casi e buono in un ulteriore 46%, mentre il tasso medio di sanguinamento si è ridotto da 6,8 a 2,7 episodi l'anno. In un terzo studio, Rixubis è stato somministrato a 14 pazienti sottoposti a intervento chirurgico; il trattamento con Rixubis ha mantenuto la perdita ematica durante l'intervento ai livelli attesi nei pazienti non affetti da emofilia B.

La valutazione di questi studi ha indicato inoltre che la distribuzione di Rixubis nell'organismo è stata simile a quella di un altro prodotto a base di fattore IX approvato.

## Quali sono i rischi associati a Rixubis?

Gli effetti indesiderati più comuni di Rixubis (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono disgeusia (alterazione del gusto) e dolore agli arti. Reazioni di ipersensibilità (allergiche) possono verificarsi raramente e comprendono angioedema (gonfiore dei tessuti sotto la pelle), bruciore e irritazione in sede di iniezione, brividi, vampate, eruzione cutanea con prurito, mal di testa, orticaria, ipotensione (pressione sanguigna bassa), sensazione di stanchezza o irrequietezza, nausea (sensazione di malessere) o vomito, tachicardia (battito cardiaco accelerato), oppressione al torace, sibilo respiratorio e sensazioni di formicolio. In alcuni casi, le reazioni diventano gravi (anafilassi) e possono essere associate a un pericoloso rapido calo della pressione arteriosa. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Rixubis, vedere il foglio illustrativo.

Rixubis non deve essere usato in pazienti ipersensibili (allergici) a nonacog gamma o ad uno qualsiasi degli altri componenti del medicinale o con allergia nota alle proteine di criceto.

## **Perché Rixubis è approvato?**

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Rixubis sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. Il comitato ha ritenuto che Rixubis si fosse dimostrato efficace nella prevenzione e nel trattamento degli episodi di sanguinamento in adulti e bambini affetti da emofilia B e fosse risultato efficace anche per consentire loro di sottoporsi a un intervento chirurgico in condizioni di sicurezza. Il profilo di sicurezza è stato considerato accettabile ed è stato superato dagli effetti benefici.

## **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Rixubis?**

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Rixubis sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Rixubis sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Ulteriori informazioni sono disponibili nel [riassunto del piano di gestione dei rischi](#).

## **Altre informazioni su Rixubis**

Il 19 Dicembre 2014 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Rixubis, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR e del riassunto dei piani di gestione dei rischi di Rixubis consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Rixubis, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 01-2015.